

Emne: Re: Besvarelse på mail af 18. januar 2007

Til Lars Løkke Rasmussen 2007-12165-263 Tak for svar på mit brev af 18.01.2007, men det løste ikke mit problem.

Vi, Birgitte og Lisbeth, er 2 Alfa-1 patienter som i over 1 år har forsøgt at få behandling med prolustin.

Vor læge på Gentofte hospital har flere gange oplyst at prolustin virker, han kan og vil behandle, men må ikke tage imod betaling, og har derfor anbefalet at vi finder et privathospital i Danmark.

Vi har nu fundet et privathospital i Danmark, pengene og en læge er vi også faldet over, nu er det eneste vi mangler en udleveringstilladelse fra lægemiddelstyrelsen, den læge vi faldt over søgte for 2 måneder siden, men har ikke fået svar.

Går det som det plejer, er svar fra lægemiddelstyrelsen at der ikke gives flere dispensationer til prolustin, hvorfor gives der ikke dispensation når dødsyge mennesker, har brugt et år af et kort liv, til at finde hospital læge og penge, det eneste vi beder om er adgang til prolsatin, det vil ikke koste samfunder en krone.

Niels Würgler Hansen fra sundhedsstyrelsen har via en opringning, oplyst at vi kan tage til udlandet hvis vi vil behandles. En rejse til Tyskland og retur vil tage 22 timer, vi skal behandles 2 gange om ugen, så man må sige at det er rigtigt at patienten er i centrum, vi befinder os i orkanens øje.

Birgitte kunne, da vi startede kampen mod vindmøller, bevæge sig frit omkring, hun er nu bundet til en iltbeholder 16 timer i døgnet. Tak for det.

Tanken om at vi ikke bliver behandlet, fordi der så ikke er forsøgspersoner til de næste forsøg er grusom, og skyldes selvfølgelig en for livlig fantasi.

Kopi af brevet til lægemiddelstyrelsen sender jeg med posten til Birthe Skaarup/sundhedsudvalgt.

Med venlig hilsen
Lisbeth Jensen

Overlæge
Steffen Thirstrup
Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
2300 København K

12. februar 2007

Kære Steffen Thirstrup

Jævnfør endelig besvarelse af spørgsmål nr. S 1217, som jeg vedlægger, samt svar fra hospitalsdirektør Henning Daugaard til Birgitte og Per Borgsteen, som ligeledes er vedlagt, forstår jeg, at alfa-1-antitrypsin substitutionsbehandling ikke vil blive benyttet i Danmark til behandling af patienter med alfa-1-antitrypsin mangel i det offentlige sundhedsvæsen bortset fra de to navngivne patienter, som allerede er i behandling. Sundhedsstyrelsen anbefaler modsat Dansk Lungemedicinsk Selskab, at en eventuel beslutning om indførelse af behandling med alfa-1-antitrypsin afventer resultatet fra den igangværende randomiserede multicenter undersøgelse, som forventes at foreligge i løbet af 2007, og denne anbefaling er tiltrådt af Det rådgivende udvalg for specialeplanlægning. Denne anbefaling er uagtet, at undersøgelsen er behæftet med en ikke ubetydelig risiko for en type 2 fejl, såfremt effekt ikke kan påvises på CT scanning, undersøgelsen vil således ikke kunne afkræfte en effekt af substitutionsbehandling.

Denne holdning er ikke i overensstemmelse med international rekommandation. Her har hensynet til patienterne vejet tungere således, at tvivlen om en sikker dokumenteret effekt er kommet patienterne til gode, på lige fod med andre patienter med alvorlig livstruende sygdom. Her er der også taget hensyn til, at der er tale om en meget lille gruppe patienter med en sjælden sygdom, hvor randomiserede, placebokontrollerede, dobbeltblinde undersøgelser ikke vil kunne gennemføres med et tilstrækkeligt stort deltagerantal til at opnå et resultat med tilstrækkelig statistisk sikkerhed, specielt ikke eftersom flere og flere lande behandler med substitutionsterapi. Dette har også, således som jeg forstår det, været baggrunden for Lægemiddelstyrelsens godkendelse af Prolastina som et orphan drug.

To patienter, som følges af mig i min privatpraksis: Birgitte Borgsteen CRP. Nr. 210743-1120 og Lisbeth Jensen CRP. Nr. har forespurgt mig, om jeg kan hjælpe dem til behandling, som selvbetalere, idet de ikke har mulighed for at få behandling med Prolastina i det offentlige sundhedsvæsen overhovedet i Danmark ud fra nuværende regelsæt og de truffe beslutninger.

De forstår ikke, at de, som selvbetalere, skal være henvist til at søge behandlingen i udlandet, ligesom kræftpacienterne i sin tid måtte gøre det. Jeg har to patienter i behandling, og er således fagligt godkendt til at kunne varetage behandlingen, som er ganske enkel og ukompliceret. Jeg følger de nyeste principper jævnfør instruksen fra den lungemedicinske afdeling på Malmø Sygehus, hvor der er stor praktisk og forskningsmæssig erfaring med alfa-1-antitrypsin. Jeg anvender selvadministreret indgift af alfa-1-antitrypsin to gange ugentligt for at mindske de lette bivirkninger og ikke mindst reducere forbruget af Prolastina og dermed udgiften til lægemidlet. Et effekt mål af substitutionsbehandling har også været at fokusere på substitutionsbehandlingens antiinflammatoriske effekt, målt ud fra antal og varighed af exacerbationer. Nyeste forskning bl.a. på Malmø Sygehus vedrørende alfa-1-antitrypsin tyder da også på, at en af de vigtigste virkninger af alfa-1-antitrypsin er den antiinflammatoriske effekt. Det er netop denne effekt, der klinisk er vurderet i et amerikansk case-control-studie, hvor der fandtes en signifikant reduktion, og det er den effekt, som begge de patienter, som i øjeblikket er i behandling, har bemærket. Det ser således ud som om, at det ikke har været de relevante effektmål, som er blevet vurderet i de tidl. gennemførte undersøgelser.

Birgitte Borgsteen og Lisbeth Jensen er villige til selv foreløbig at betale for Prolastina, og jeg er villig til at varetage behandlingen, såfremt tilladelse til at udlevere Prolastina og behandle udenfor sygehus kan opnås.

Jeg søger derfor om udleveringstilladelse af Prolastina til disse to navngivne patienter og tilladelse til at behandle de to patienter med Prolastina, således at patienterne selv betaler lægemidlet, men jeg forestår den lægefaglige del af behandlingen, på samme måde som jeg varetager behandlingen af de to andre navngivne patienter i samarbejde med lokal lungemedicinsk afdeling.

Jeg synes, at det virker uhensigtsmæssigt, at disse to patienter skal søge behandling i udlandet, når Prolastina er godkendt i Danmark som et orphan drug, rekommanderes af Dansk Lungemedicinsk

Selskab, jeg besidder den faglige ekspertise til varetagelse af behandlingen, og er i øjeblikket den eneste, som har patienter i behandling. Disse patienter har ikke anden mulighed for behandling i Danmark end den symptomatiske behandling, der tilbydes patienter med kronisk obstruktiv lungesygdom, og lungetransplantation såfremt de findes egnede.

Begge patienter er velinformerede vedrørende den sparsomme dokumentation for behandling med substitution af alfa-1-antitrypsin, selve behandlingen, virkning og bivirkninger samt prisen.

Jeg håber, at Lægemiddelstyrelsen vil se positivt på denne henvendelse.

Med venlig hilsen

Lars Frølund

Speciallæge, dr.med.
Specialist i
intern medicin,
medicinske lungesygdomme &
medicinsk allergologi